

Disclaimer: 本発表は演者の個人的見解を示すものであり、所属する組織の公式な見解ではないことをご注意ください。

The contents of this presentation represent the view of this presenter only, and do not represent the views and/or policies of the PMDA



平成30年10月12日

第6回 国立高度専門医療研究センターの  
今後の在り方検討会

資料2

# PMDAがNCに期待すること

October 12, 2018

独立行政法人医薬品医療機器総合機構  
レギュラトリー・サイエンスセンター長  
新井 洋由

# 独立行政法人 医薬品医療機器総合機構

Pharmaceuticals and Medical Devices Agency (PMDA)

- ◆ 医薬品医療機器総合機構 (Pharmaceuticals and Medical Devices Agency; **PMDA**) は、平成16年4月に設立された、独立行政法人医薬品医療機器総合機構法に基づく厚生労働省所管の非公務員型**独立行政法人**です。

**PMDAは、**

医薬品の副作用や生物由来製品を介した感染等による健康被害に対して、迅速な救済を図り(**健康被害救済**)、

医薬品・医療機器・再生医療等製品などの品質、有効性及び安全性について、治験前から承認までを一貫した体制で指導・審査し(**承認審査**)、

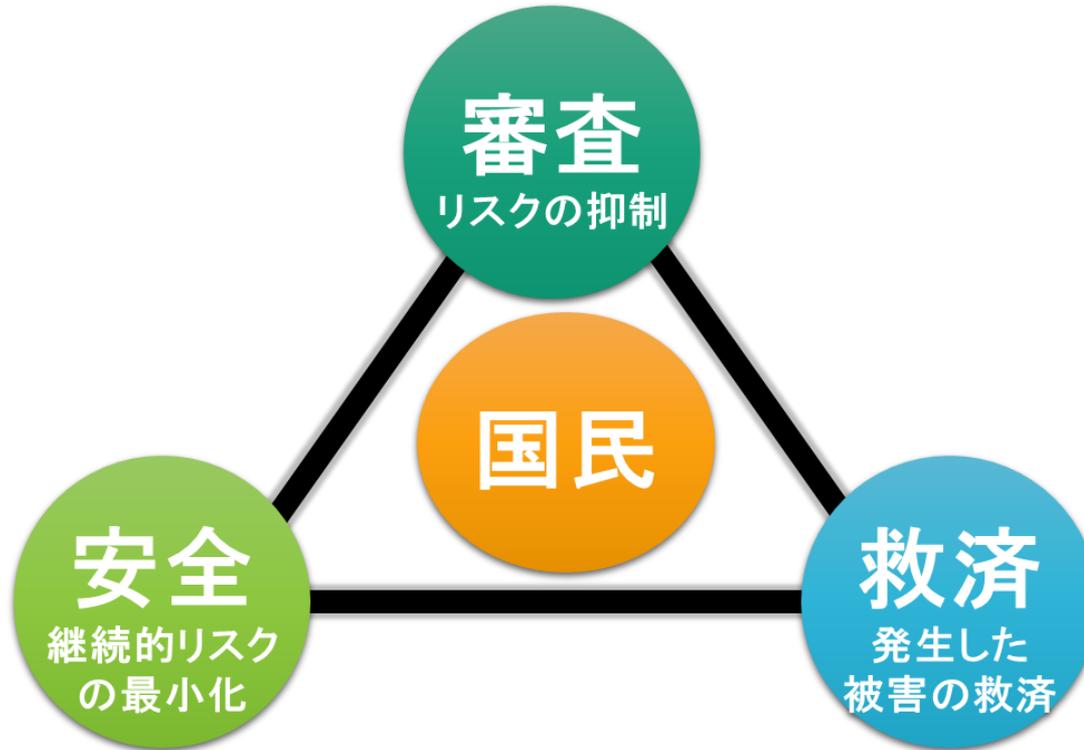
市販後における安全性に関する情報の収集、分析、提供を行うこと(**安全対策**)

を通じて、国民保健の向上に貢献することを目的としている独立行政法人。

# PMDAの果たす3つの役割

セイフティ・トライアングル

～3つの業務による総合的なリスクマネジメント～



3つの役割を一体として行う世界でも数少ない公的機関として、  
レギュラトリーサイエンスに基づき、より安全でより品質のよい製品をより早く医療  
現場に届け、医療水準の向上に貢献する

# PMDAの理念

(平成20年9月)

わたしたちは、以下の行動理念のもと、医薬品、医療機器等の審査及び安全対策、並びに健康被害救済の三業務を公正に遂行し、国民の健康・安全の向上に積極的に貢献します。

- 国民の命と健康を守るという絶対的な使命感に基づき、医療の進歩を目指して、判断の遅滞なく、高い透明性の下で業務を遂行します。
- より有効で、より安全な医薬品・医療機器をより早く医療現場に届けることにより、患者にとっての希望の架け橋となるよう努めます。
- 最新の専門知識と叡智をもった人材を育みながら、その力を集結して、**有効性、安全性について科学的な視点での確な判断を行います。**
- 国際調和を推進し、積極的に世界に向かって期待される役割を果たします。
- 過去の多くの教訓を活かし、社会に信頼される事業運営を行います。

## 【レギュラトリーサイエンスとは】

「科学技術の成果を人と社会に役立てることを目的に、根拠に基づく的確な予測、評価、判断を行い、科学技術の成果を人と社会との調和の上で最も望ましい姿に調整するための科学」(第4次科学技術基本計画 平成23年8月19日閣議決定)

# NCに期待すること(1)

## 医療の質の向上に資する新たな治療法の開発と 標準医療となるべき診断・治療法の確立

- 新たな医薬品等の開発への関与
- 承認薬や既存治療による合理的な医療の推進

標準治療や診断及びレジメンの確立において、  
国内で主導的役割を期待

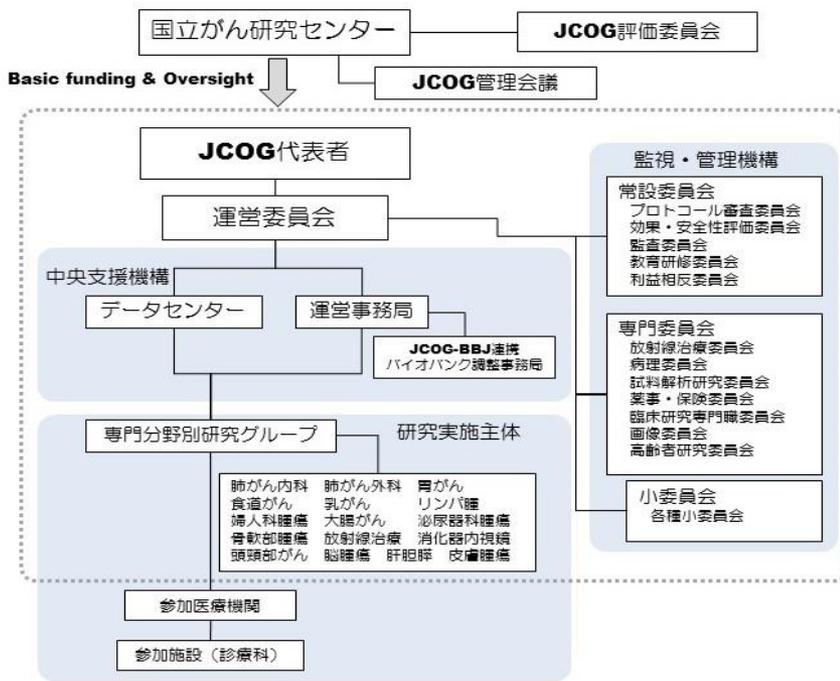
(具体的には)

- 治療ガイドラインの作成において、  
国内の大学や他の先進的な医療機関との連携
- 日本人に最適な治療法の探索・確立を主導

# 標準治療の確立への取組の例

## 日本臨床腫瘍研究グループ (Japan Clinical Oncology Group: JCOG)

- がん患者さんの治癒率の向上を目指して発足した、国立がん研究センター研究開発費研究班を中心とする多施設共同研究グループ
- 有効な治療法を開発し、これを適正な臨床試験による評価を行うことにより、様々ながんの患者さんに対する標準治療(科学的根拠に基づいて第一に推奨される最善の治療)の確立を目的として研究活動を実施



○○グループ : ○○がん治療開発マップ20XX.MM

対象	標準治療	JCOG試験	他組織の試験	適応外薬
Stage I	標準治療 局所治療 ESD、部分切除等	登録中Phase III JCOGXXXX Opn vs. Lap 2012.12~	JCOGで準備中の試験 PC00XX	
Stage II	標準治療 外科的切除術	登録中Phase III JCOGXXXX Opn vs. NAC+ope 2012.12~	JCOGで準備中の試験 PC00XX	他組織の試験 試験の概要 Phase II
Stage III	標準治療 放射線療法 化学療法	登録中Phase III JCOGXXXX NAC+ope vs. NAC+ope vs. RT+ope 2012.12~	JCOGで準備中の試験 PC00XX	他組織の試験 試験の概要 Phase III
Stage IV	標準治療 化学療法 レジメン名	登録中Phase III JCOGXXXX Aレシメン vs. Bレシメン ~2004.11~2005.4	JCOGで準備中の試験 PC00XX	他組織の試験 試験の概要 Phase II
再発		登録中Phase II JCOGXXXX 放射線治療 2014.5~		他組織の試験 試験の概要 Phase II

標準治療は淡い色のモダリティで少し色分け  
 JCOG試験 登録中: 太字・大 追跡中: ノーマル・小  
 JCOGで準備中の試験  
 他組織の試験 Phase等記載

JCOGホームページ <http://www.jcog.jp/index.htm> の情報、図を引用し作成

# 日本人に最適な治療法の確立に向けた取組の例

## がんゲノム医療の推進

**新しいがん治療標的の発見と臨床への橋渡し**  
 バイオバンク試料の次世代シーケンサー解析

<p><b>新しい治療標的の発見</b></p> <p>肺がん: RET遺伝子融合                  CREBBP遺伝子変異                  胆道がん: FGFR2遺伝子融合</p>	<p><b>本邦がんの発生機構の解明</b></p> <p>肝臓がん                  成人T細胞白血病リンパ腫                  十二指腸乳頭部がん など</p>
--	--

Kohno et al., Nat Med, 2012      Fujimoto et al., Nat Genet, 2012  
 Alexandrov et al., Nature, 2013      Totoki, Nat Genet, 2014  
 George et al., Nature, 2015      Kataoka et al., Nat Genet, 2015  
 Nakamura et al., Nat Genet, 2015      Yachida et al., Cancer Cell, 2016

**全国スクリーニング(SCRUM-Japan)に基づく阻害薬の臨床試験**

遺伝子検査: 2,000例以上  
 RET融合陽性例: 30例以上

タンパク質リン酸化酵素 → RET融合タンパク質 → タンパク質リン酸化酵素阻害薬 (RET タンパク質阻害薬) → パンデタニブ

赤: 遺伝子スクリーニング業: スクリーニングと治療

平成28年2月15日6NC共同記者会見「国立高度専門医療研究センター(6NC)の連携による疾患バイオバンク・臨床情報プラットフォームの展望」資料より引用

2018年6月3日 がんゲノム情報管理センター記者発表会 がんゲノム情報管理センター資料より改変

### がんゲノム情報管理センター

(国立がん研究センターに設置: Center for Cancer Genomics and Advanced Therapeutics: C-CAT)

衛生検査所等検査施設 → 検体 → 検査報告書 → 中核拠点病院 → エキスパートパネル → 臨床情報 → 知識データベース (CKDB) → 二次利用等

配列情報等の元データ → C-CAT → がんゲノム情報レポジトリ (ゲノム情報・臨床情報) → AIによる解析等 → 新たな治療・診断法等新規治療標的遺伝子等

中核拠点病院・連携病院・製薬会社・関係省庁と共に、日本において利用可能な薬剤の最大化に利用

臨床的意義づけのためのCKDBレポート

個人情報保護法等関係法令等を遵守する

平成30年8月1日開催「PMDAレギュラトリーサイエンスセンター開設記念シンポジウム」における間野 博行氏(国立がん研究センター 理事・がんゲノム情報管理センター長・研究所長)による基調講演資料より引用

# NCに期待すること(2)

治療法の普及と情報発信により、  
世界に評価される機関に

NC全体で標準医療の開発・普及の戦略をもった一体的な体制を形成

- 世界に評価される機関としてオールジャパンで

医療・薬事の規制に精通した人材育成や登用ができる体制の構築

- 臨床研究等を推進
- マクロな視点で患者を救うための仕事をする意識を

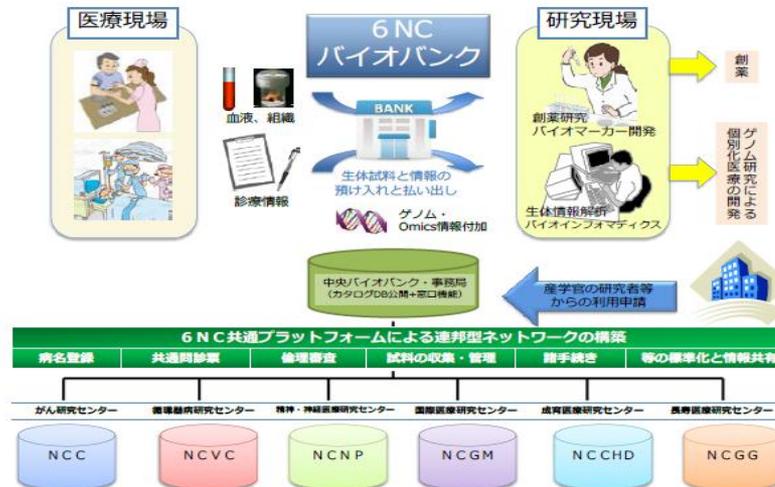
# NC全体での取り組みの例

## 2. ナショナルセンター・バイオバンクネットワーク(National Center Biobank Network: NCBN)とは ナショナルセンター・バイオバンクネットワーク (National Center Biobank Network: NCBN)

ナショナルセンター・バイオバンクネットワークでは、**臨床応用を目指した研究に役立てるべく**、6NCの医療現場にて収集されたバイオバンク試料(バイオリソース)と詳細な医療情報を**整備**します。

これにより、研究者が必要とする試料(バイオリソース:血液・組織等)に効率的にアクセスできるような“カタログデータ”が作られます。

研究者は、この“カタログデータ”を活用して、6NCにおける正確な診療情報も併せて、研究を効率的に推進、ゲノム医療の実現、創薬に貢献します。



平成28年2月15日6NC共同記者会見「国立高度専門医療研究センター(6NC)の連携による疾患バイオバンク・臨床情報プラットフォームの展望」資料より引用

# NCに期待すること(3)

## 1 レギュラトリーサイエンスの推進

治療法開発の一環として医薬品・医療機器・再生医療等製品の開発に係るレギュラトリー・サイエンスの実践

臨床研究、治験の実施、橋渡し研究としての  
非臨床試験研究を含めたNCの臨床開発の基盤整備

- 新規の治療法の開発には、医薬品・医療機器・再生医療等製品の開発を伴う

製品開発の効率化にも役立つ評価指標(主要評価項目・エンドポイント)の確立 → バイオマーカー

- NCに、確立のための主要な役割を期待
- 日本発のバイオマーカーを主要評価項目 → 日本がその領域をリード
- 日本の存在感を示せる機関へ

# 臨床開発の基盤整備の例

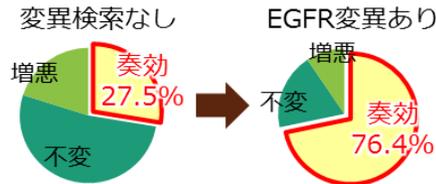
## 日本発のシーズが生まれる研究開発環境

- 一人ひとりに最適な最先端のがん治療を、医療保険で受けられるようにする。解析したゲノム情報や臨床情報を集約・管理・活用する体制を構築し、革新的な医薬品等の開発を推進。

### がん診療の現状と課題

- ①約2人に1人が、がん罹患
  - 2016年 新たながん罹患数は約100万人の見込み
  - 1981年以降、「がん」が死因の第一位。
- ②がんゲノム情報により分子標的薬の奏効率が大幅に上昇

ゲフィチニブ（イレッサ®）  
肺腺がんのうち、EGFR※遺伝子変異がある例では奏効率が大幅に上昇。  
→無効例への投与が回避。



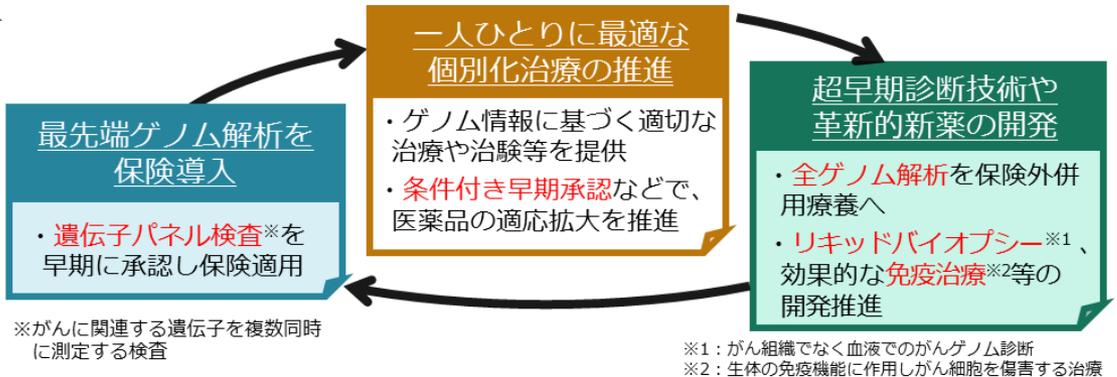
※epidermal growth factor receptor: 上皮成長因子受容体

### ③ゲノム解析技術の急速な進歩

一人の全ゲノム解析に必要な時間・費用  
(2003年) → (2016年)  
13年間・30億ドル 1週間・約1000ドル

### がんゲノム医療の戦略的推進

- ゲノム医療の果実を国民・患者に還元。



- 全国の医療機関等が参加し「がんゲノム医療推進コンソーシアム」を構築。



20.0億円【29年度補正4.2億円】

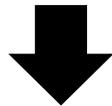
厚生労働省報道発表「平成29年12月22日「医薬品産業強化総合戦略～グローバル展開を見据えた創薬～」の一部改訂について(公表)」の資料より引用

# NCに期待すること(3)

## 2 レギュラトリーサイエンス人材の育成

PMDAとしても人材の育成に協力  
NCとPMDAが協働した環境整備による  
合理的な医療に資するレギュラトリー・サイエンスの推進

- 臨床開発基盤を支える薬事規制や医療行政に精通した医療職(医師・薬剤師等)の育成
- 最新の医学的な知見をPMDAの規制側にも提供
- NCの人材育成 → 新たなキャリアパスのモデル
- 関連病院、大学等へ人材を展開



国内の医薬品等の開発と安全対策のレベルアップ  
迅速に世界水準に

# 第3期中期計画(H26～H30年度)の体制強化の方向性

(新薬審査に係る主な事項)

有効で安全な医薬品・医療機器・再生医療等製品の迅速な実用化に必要な体制強化  
～PMDAの体制を質・量両面で強化～

## ○審査ラグ「0」の実現

- 審査の更なる迅速化(新医薬品の総審査期間を80%マイル値で12ヶ月(通常)等を目指す)
- 事前評価相談の充実(実質的な審査の前倒し)
- 海外査察体制(GMP等調査)の充実

## ○開発ラグ解消の支援

- 薬事戦略相談の拡充
- 治験相談の拡充

## ○審査・相談の高度化と基盤となるレギュラトリーサイエンス研究・人材育成の強化

- 先進的な解析・予測評価手法を用いた審査・相談体制の構築
- 科学委員会の積極的活用等を通じたレギュラトリーサイエンス研究・人材育成の強化

## ○さらなる国際化への対応

- 国際ビジョン・ロードマップ達成による人材育成の強化・情報発信等の推進
- 欧米諸国等の審査当局とのハーモナイゼーションの推進及び連携強化
- アジア諸国からの研修生の受入強化及びアジア諸国の審査当局との連携強化

## ○薬事法改正への対応

- 再生医療等製品への条件及び期限付承認制度導入による相談・承認申請件数増加への対応

大前提: 欧米並の体制と優秀な人材の確保

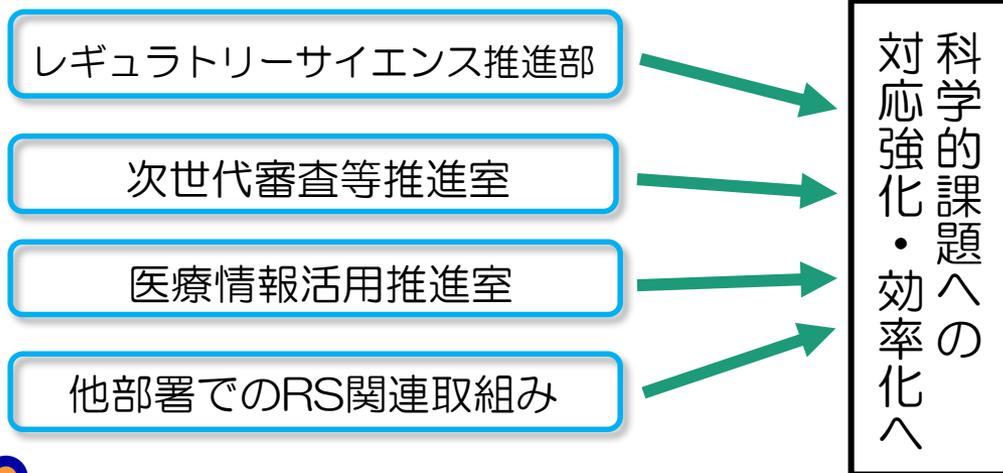
【参考】医薬品・医療機器規制当局の人員の国際比較

日本	米国	欧州
PMDA/厚生労働省 906人 [2017.4]	食品医薬品庁(FDA) 7,076人 [2015]	欧州医薬品庁(EMA) 897人 [2016.12]

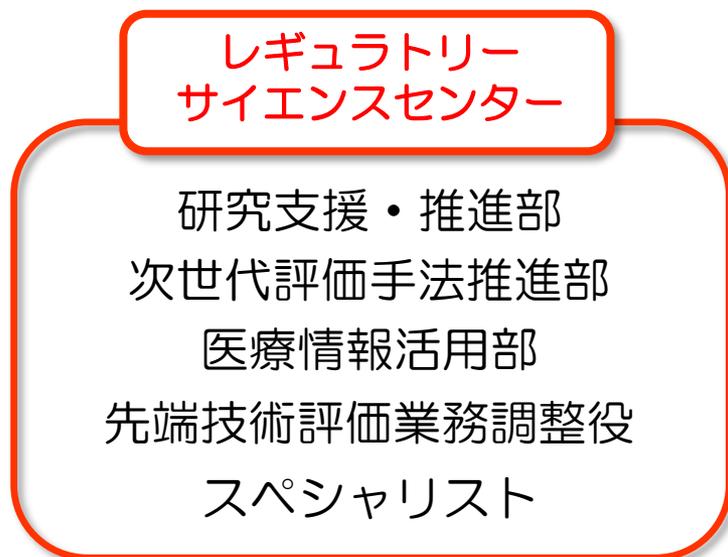
# レギュラトリーサイエンスセンターの設置について

- PMDAでは、医薬品・医療機器・再生医療等製品の品質・有効性・安全性の科学的な評価・判断に資するレギュラトリーサイエンスに係る取組みを進めてきた。
- 平成30年4月1日に、レギュラトリーサイエンスセンターを設置し、PMDA内のレギュラトリーサイエンスに係る活動を組織的に一元化することで
  - PMDA業務に関連する科学的課題への対応の強化及び効率化
  - 審査等業務及び安全対策業務の質の向上
  - レギュラトリーサイエンス関連情報の発信により各ステークホルダーとの議論を活性化を図る。

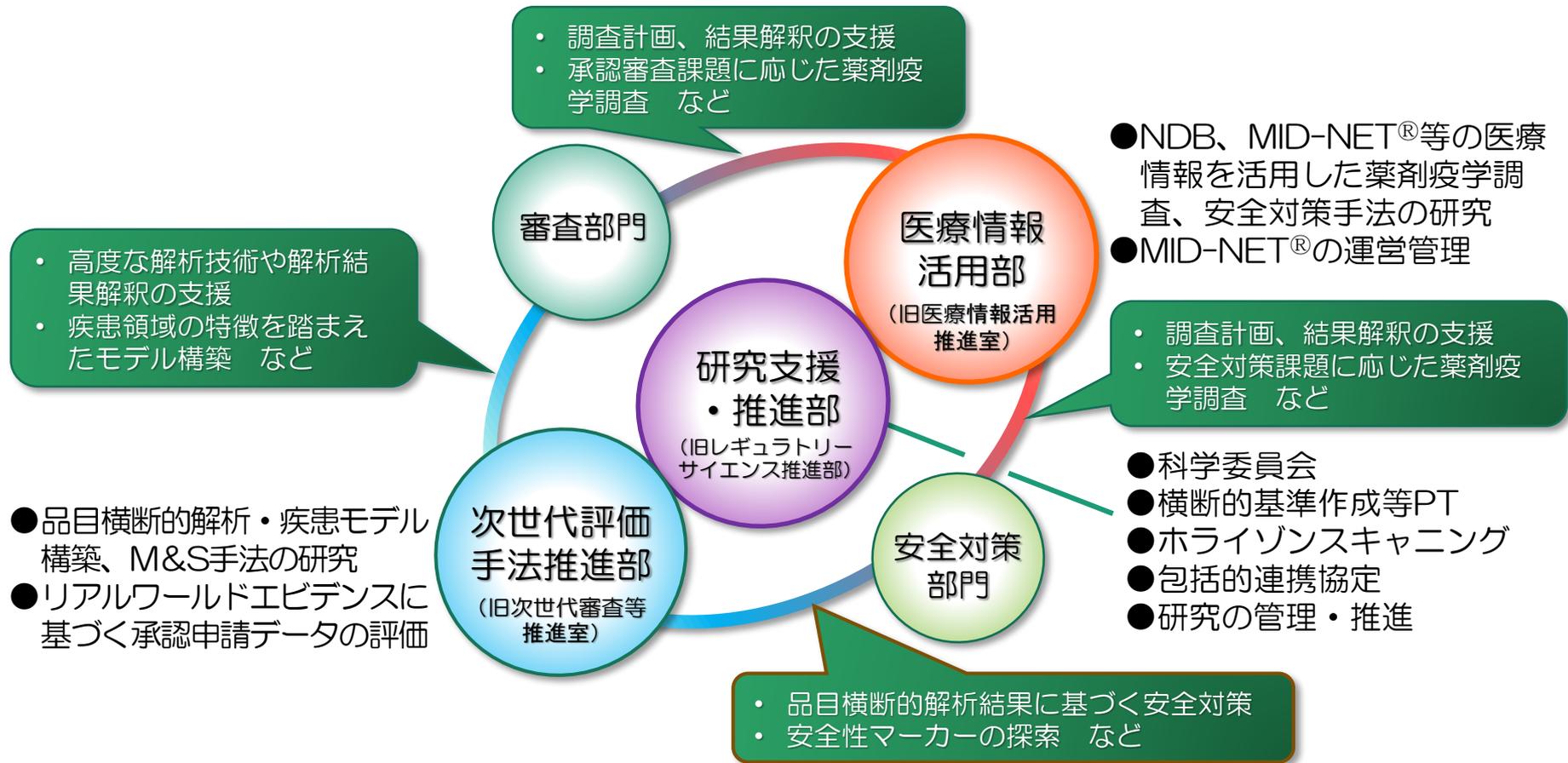
現在



平成30年4月から



# レギュラトリーサイエンスセンターの機能について

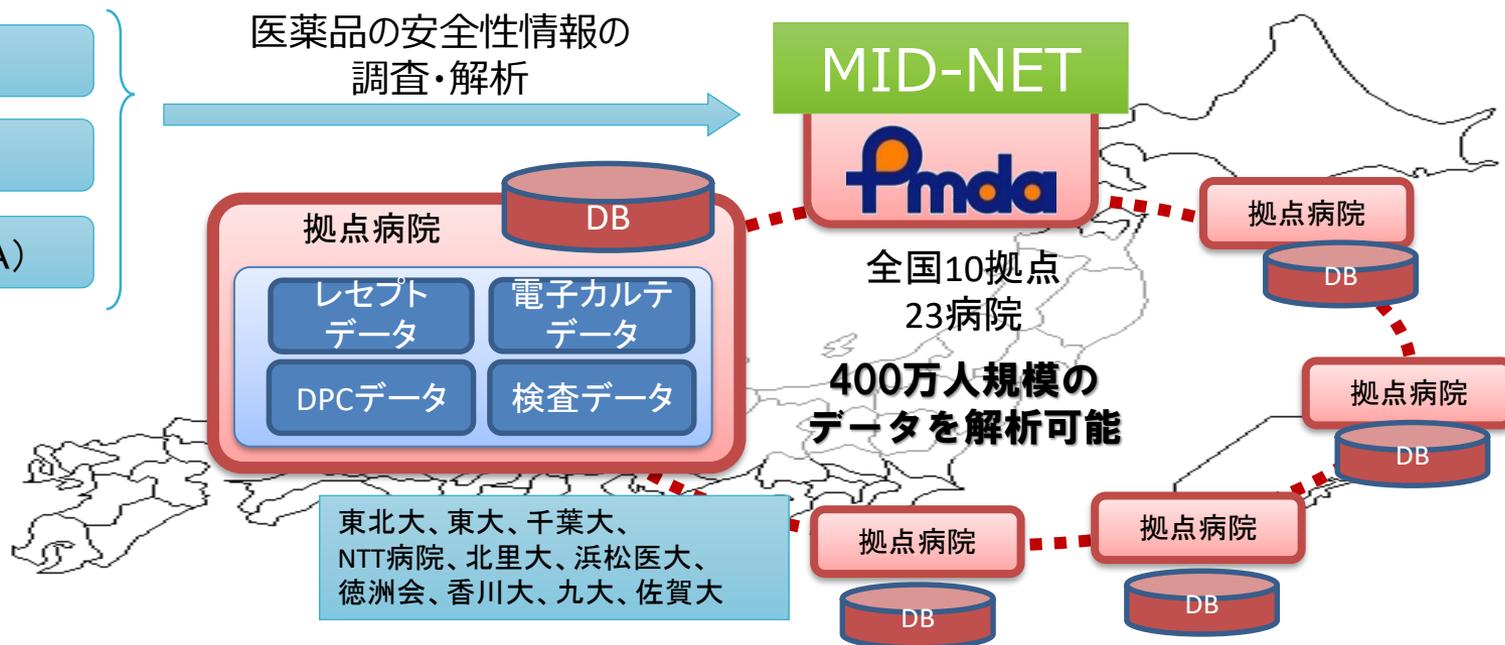


- リアルワールドデータ、電子データを用いた承認審査と市販後調査・安全対策の連携強化
- アカデミア等外部機関との連携によるレギュラトリーサイエンスの推進

**審査・安全対策の質の向上、革新的医薬品等の開発に資するガイドライン等を積極的に発信する。**

# 医療情報データベース(MID-NET)について

- ◆ 電子カルテ等の医療情報を大規模に収集・解析を行う医療情報データベース「MID-NET」をPMDAに構築。ビッグデータの活用により、医薬品等の安全対策の高度化を推進する。
- ◆ 平成30年度より行政・製薬企業・アカデミアによる利活用が可能な、MID-NETの本格運用を開始。



- これまでの副作用報告制度では把握できなかった副作用の発現頻度を評価できるようになる  
⇒ 例えば、他剤との副作用頻度の比較や、経時的な変化の追跡が可能
- リアルワールドを反映した副作用・投与実態等を迅速・低コスト・能動的に収集できるようになる

アカデミア等と連携し、レギュラトリーサイエンスの推進と有効性・安全性・品質確保及びその信頼性保証において医療水準の向上に貢献するために、専門機関と広範な分野で協力・連携を進める体制を構築する。

## 包括的連携協定の例

### 人材交流（必須事項）

（PMDAへの恒常的な職員の出向、PMDAからの派遣等）

人材育成

共同研究

情報発信・普及啓発

情報交換

客員教員派遣・受け入れ

PMDA職員の大学院入学・学位取得

大学院生の受け入れ・指導

教育課程編成参画

学位審査参画

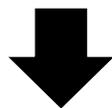
○ 協定締結数：9施設

国立がん研究センター（平成28年2月）、広島大学（平成28年3月）、慶應義塾（平成28年3月）、筑波大学（平成28年3月）、国立精神・神経医療研究センター（平成28年7月）、東北大学（平成28年10月）、国立国際医療研究センター（平成29年3月）、国立循環器病研究センター（平成29年7月）、国立成育医療研究センター（平成30年1月）

# NCに期待すること(4)

患者レジストリー等の医療情報の標準化への  
積極的な貢献(データをオープンに)  
—合理的な医療の発展に不可欠な情報基盤—

- 患者レジストリー等の電子的診療情報やバンク等のデータを利活用(国民全体のためにオープンに活用できるように。)
- PMDAのMID-NETと連携、協力し、電子的医療情報の品質管理やデータ標準化の今後のあるべき姿のモデルを示す
- さらに、大学等とも連携し、世界に類をみないオールジャパンの医療情報標準化の基盤を構築し、展開



製品の製販後の適正使用の評価  
革新的な承認審査での有用性評価  
に資する情報基盤となることを期待

ご清聴ありがとうございました。



MID-NET<sup>®</sup> ページ  
のQRコード

- **PMDA web site**

<http://www.pmda.go.jp/index.html>